

令和5年度 第1回 治験審査委員会議事録・概要

開催日時	令和5年4月19日(水) 15:05～15:20
開催場所	国立病院機構東埼玉病院 中会議室
出席委員名	尾方 克久、石垣 千絵、大塚 友吉、塚田 訓久、鈴木 幹也、堀場 昌英、相磯 光彦、中嶋 京一、小沼 進吉、 圓岡 大典、渡邊 ゆかり、新井 茂、古田 晴美、船津 芳征、黒崎 晃、酒井 恵、草野 和美、志村 美奈
議題及び審議結果を含む主な議論の概要	<p>議題① AN OPEN-LABEL, LONG-TERM SAFETY, EFFICACY, AND TOLERABILITY STUDY FOR ATALUREN(PTC124) IN PATIENTS WITH NONSENSE MUTATION DUCHENNE MUSCULAR DYSTROPHY ナンセンス変異型デュシェンヌ型筋ジストロフィー患者を対象としたアタルレン(PTC124)の非盲検、長期安全性、有効性、忍容性試験</p> <p>【審議事項】 副作用報告(2023.2.16付)に伴う安全性情報等に関する報告に対し、治験継続の妥当性について審議した。 審議結果: 承認</p> <p>副作用報告(2023.2.28付)に伴う安全性情報等に関する報告に対し、治験継続の妥当性について審議した。 審議結果: 承認</p> <p>副作用報告(2023.3.6付)に伴う安全性情報等に関する報告に対し、治験継続の妥当性について審議した。 審議結果: 承認</p> <p>議題② 大鵬薬品工業株式会社の依頼によるデュシェンヌ型筋ジストロフィー患者を対象とした TAS-205の第Ⅲ相試験</p> <p>【審議事項】 副作用報告(2023.3.7付)に伴う安全性情報等に関する報告に対し、治験継続の妥当性について審議した。 審議結果: 承認</p> <p>副作用報告(2023.3.17付)に伴う安全性情報等に関する報告に対し、治験継続の妥当性について審議した。 審議結果: 承認</p> <p>議題③ デュシェンヌ型筋ジストロフィーに対するKA-301の安全性及び有効性を検討する第Ⅰ/Ⅱ相試験</p> <p>【報告事項】 ご本人への説明文書・同意文書(2023.4.3作成 第1.1版)、保護者の方への説明文書・同意文書(2023.4.3作成 第1.1版)、アセント文書(2023.4.3作成 第1.1版)を以って、修正が承認の条件とした事項を満たしていることを報告した。</p>

令和5年度 第2回 治験審査委員会議事録・概要

開催日時	令和5年5月17日(水) 15:30～15:35
開催場所	国立病院機構東埼玉病院 中会議室
出席委員名	尾方 克久、石垣 千絵、大塚 友吉、塚田 訓久、鈴木 幹也、堀場 昌英、相磯 光彦、中嶋 京一、小沼 進吉、 圓岡 大典、渡邊 ゆかり、新井 茂、船津 芳征、黒崎 晃、酒井 恵、草野 和美、志村 美奈
議題及び審議結果を含む主な議論の概要	<p>議題① AN OPEN-LABEL, LONG-TERM SAFETY, EFFICACY, AND TOLERABILITY STUDY FOR ATALUREN(PTC124) IN PATIENTS WITH NONSENSE MUTATION DUCHENNE MUSCULAR DYSTROPHY ナンセンス変異型デュシェンヌ型筋ジストロフィー患者を対象としたアタルレン(PTC124)の非盲検、長期安全性、有効性、忍容性試験</p> <p>【審議事項】 副作用報告(2023.4.10付)に伴う安全性情報等に関する報告に対し、治験継続の妥当性について審議した。</p> <p>審議結果: 承認</p> <p>【報告事項】 ・治験協力者の追加と削除による変更に対し、報告をした。</p> <p>議題② 当院における治験に関する手順書整備について</p> <p>【報告事項】 「企業主導治験に係る標準業務手順書」の一部改正について報告をした。 「企業主導治験に係る治験審査委員会標準業務手順書」の一部改正について報告をした。 「医師主導治験に係る標準業務手順書」の一部改正について報告をした。 「医師主導治験に係る治験審査委員会標準業務手順書」の一部改正について報告をした。</p>

令和5年度 第3回 治験審査委員会議事録・概要

開催日時	令和5年7月19日(水) 15:05 ~15:20
開催場所	国立病院機構東埼玉病院 中会議室
出席委員名	尾方 克久、石垣 千絵、塚田 訓久、鈴木 幹也、堀場 昌英、相磯 光彦、小沼 進吉、渡邊 ゆかり、新井 茂、船津 芳征、黒崎 晃、酒井 恵、草野 和美
議題及び審議結果を含む主な議論の概要	<p>議題① ホモ接合型福山型筋ジストロフィー患者を対象としたステロイドの臨床試験</p> <p>【審議事項】</p> <p>当該新規課題において、治験実施の妥当性について審議した。</p> <p>審議結果：修正の上で承認</p> <p>議題② ホモ及びヘテロ接合型福山型筋ジストロフィー患者を対象としたステロイドの臨床試験</p> <p>【審議事項】</p> <p>当該新規課題において、治験実施の妥当性について審議した。</p> <p>審議結果：修正の上で承認</p> <p>議題③ AN OPEN-LABEL, LONG-TERM SAFETY, EFFICACY, AND TOLERABILITY STUDY FOR ATALUREN(PTC124) IN PATIENTS WITH NONSENSE MUTATION DUCHENNE MUSCULAR DYSTROPHY ナンセンス変異型デュシェンヌ型筋ジストロフィー患者を対象としたアタルレン(PTC124)の非盲検、長期安全性、有効性、忍容性試験</p> <p>【審議事項】</p> <p>副作用報告(2023.6.8付)に伴う安全性情報等に関する報告に対し、治験継続の妥当性について審議した。</p> <p>審議結果：承認</p> <p>議題④ 大鵬薬品工業株式会社の依頼によるデュシェンヌ型筋ジストロフィー患者を対象としたTAS-205の第Ⅲ相試験</p> <p>【報告事項】</p> <p>治験実施計画書別紙の改訂(Ver.09→Ver.10)について報告した。</p> <p>治験協力者リストの追加による変更について報告した。</p>

令和5年度 第4回 治験審査委員会議事録・概要

開催日時	令和5年9月20日(水) 15:00～15:45
開催場所	国立病院機構東埼玉病院 中会議室
出席委員名	尾方 克久、石垣 千絵、大塚 友吉、塚田 訓久、鈴木 幹也、堀場 昌英、相磯 光彦、中嶋 京一、小沼 進吉、 圓岡 大典、渡邊 ゆかり、新井 茂、古田 晴美、船津 芳征、黒崎 晃、酒井 恵、草野 和美、志村 美奈
議題及び審議結果を含む主な議論の概要	<p>議題① ホモ接合型福山型筋ジストロフィー患者を対象としたステロイドの臨床試験</p> <p>【審議事項】</p> <p>治験実施計画書の改訂(Ver1.1→Ver2.0)に対し、治験継続の妥当性について審議した。</p> <p>審議結果：承認</p> <p>治験実施計画書別紙1の改訂(Ver1.1→Ver2.0)に対し、治験継続の妥当性について審議した。</p> <p>審議結果：承認</p> <p>被験者への支払いに関する資料の改訂に対し、治験継続の妥当性について審議した。</p> <p>審議結果：修正の上で承認</p> <p>モニタリング結果報告書(2023.8.8付)に対し、治験継続の妥当性について審議した。</p> <p>審議結果：承認</p> <p>【報告事項】</p> <p>アセント文書(2023.7.24作成 第2.0版)を以って、修正が承認の条件とした事項を満たしていることを報告した。</p> <p>議題② ホモ及びヘテロ接合型福山型筋ジストロフィー患者を対象としたステロイドの臨床試験</p> <p>【審議事項】</p> <p>治験実施計画書の改訂(Ver1.1→Ver2.0)に対し、治験継続の妥当性について審議した。</p> <p>審議結果：承認</p> <p>治験実施計画書別紙1の改訂(Ver1.1→Ver2.0)に対し、治験継続の妥当性について審議した。</p> <p>審議結果：承認</p> <p>被験者への支払いに関する資料の改訂に対し、治験継続の妥当性について審議した。</p> <p>審議結果：修正の上で承認</p> <p>モニタリング結果報告書(2023.8.8付)に対し、治験継続の妥当性について審議した。</p> <p>審議結果：承認</p> <p>【報告事項】</p> <p>アセント文書(2023.7.24作成 第2.0版)を以って、修正が承認の条件とした事項を満たしていることを報告した。</p> <p>議題③ A PHASE 3, RANDOMIZED, DOUBLE-BLIND, PLACEBO-CONTROLLED EFFICACY AND SAFETY STUDY OF ATALUREN IN PATIENTS WITH NONSENSE MUTATION DUCHENNE MUSCULAR DYSTROPHY AND OPEN-LABEL EXTENSION ナンセンス変異型デュシェンヌ型筋ジストロフィー患者を対象としたアタルレンの第Ⅲ相、ランダム化、二重盲検、プラセボ対照、有効性及び安全性試験(非盲検延長投与期を含む)</p> <p>【審議事項】</p> <p>治験薬概要書の改訂(第18.0版→第19.0版)に対し、治験継続の妥当性について審議した。</p> <p>審議結果：承認</p> <p>保険契約証明書の期間延長に対し、治験継続の妥当性について審議した。</p> <p>審議結果：承認</p> <p>【報告事項】</p> <p>治験実施計画書別紙の改訂(9.0版→10.0版)について報告した。</p>

議題④ AN OPEN-LABEL, LONG-TERM SAFETY, EFFICACY, AND TOLERABILITY STUDY FOR ATALUREN(PTC124) IN PATIENTS WITH NONSENSE MUTATION DUCHENNE MUSCULAR DYSTROPHY
ナンセンス変異型デュシェンヌ型筋ジストロフィー患者を対象としたアタルレン(PTC124)の非盲検、長期安全性、有効性、忍容性試験

【審議事項】

治験薬概要書の改訂(第18.0版 → 第19.0版)に対し、治験継続の妥当性について審議した。

審議結果：承認

議題⑤ 大鵬薬品工業株式会社の依頼によるデュシェンヌ型筋ジストロフィー患者を対象とした TAS-205の第Ⅲ相試験

【審議事項】

副作用報告(2023.8.4付)に伴う安全性情報等に関する報告に対し、治験継続の妥当性について審議した。

審議結果：承認

治験実施状況について現状報告をし、治験継続の妥当性について審議した。

審議結果：承認

議題⑥ デュシェンヌ型筋ジストロフィーに対するKA-301の安全性及び有効性を検討する第Ⅰ/Ⅱ相試験

【審議事項】

安全性情報の年次報告(調査単位期間:2022/6/30~2023/6/30)に対し、治験継続の妥当性について審議した。

審議結果：承認

治験製品概要書の改訂(第04版 → 第06版)に対し、治験継続の妥当性について審議した。

審議結果：承認

被験者への支払いに関する資料の改訂に対し、治験継続の妥当性について審議した。

審議結果：修正の上で承認

治験参加カードの改訂(第1版 → 第2版)に対し、治験継続の妥当性について審議した。

審議結果：承認

令和5年度 第5回 治験審査委員会議事録・概要

開催日時	令和5年10月18日(水) 15:00 ~ 15:20
開催場所	国立病院機構東埼玉病院 中会議室
出席委員名	尾方 克久、石垣 千絵、塚田 訓久、鈴木 幹也、堀場 昌英、中嶋 京一、小沼 進吉、 圓岡 大典、渡邊 ゆかり、新井 茂、古田 晴美、船津 芳征、酒井 恵、草野 和美、志村 美奈
議題及び審議結果を含む主な議論の概要	<p>議題① AN OPEN-LABEL, LONG-TERM SAFETY, EFFICACY, AND TOLERABILITY STUDY FOR ATALUREN(PTC124) IN PATIENTS WITH NONSENSE MUTATION DUCHENNE MUSCULAR DYSTROPHY ナンセンス変異型デュシェンヌ型筋ジストロフィー患者を対象としたアタルレン(PTC124)の非盲検、長期安全性、有効性、忍容性試験</p> <p>【審議事項】</p> <p>副作用報告(2023.8.21付)に伴う安全性情報等に関する報告に対し、治験継続の妥当性について審議した。</p> <p style="text-align: center;">審議結果: 承認</p> <p>副作用報告(2023.9.6付)に伴う安全性情報等に関する報告に対し、治験継続の妥当性について審議した。</p> <p style="text-align: center;">審議結果: 承認</p> <p>副作用報告(2023.9.21付)に伴う安全性情報等に関する報告に対し、治験継続の妥当性について審議した。</p> <p style="text-align: center;">審議結果: 承認</p> <p>【報告事項】</p> <p>治験薬概要書の改訂について、9月IRBでの質問事項に対する報告をした。</p> <p>議題② デュシェンヌ型筋ジストロフィーに対するKA-301の安全性及び有効性を検討する第 I / II 相試験</p> <p>【審議事項】</p> <p>治験実施計画書の改訂(第2.2版→第2.3版)に対し、治験継続の妥当性について審議した。</p> <p style="text-align: center;">審議結果: 承認</p> <p>治験製品概要書の改訂(第06版→第07版)に対し、治験継続の妥当性について審議した。</p> <p style="text-align: center;">審議結果: 承認</p> <p>【報告事項】</p> <p>治験実施計画書補遺の改訂(3版→4版)について、報告をした。</p> <p>支払いに関する資料(2023.10.10作成)を以って、修正が承認の条件とした事項を満たしていることを報告した。</p> <p>議題③ ホモ接合型福山型筋ジストロフィー患者を対象としたステロイドの臨床試験</p> <p>【報告事項】</p> <p>支払いに関する資料(2023.10.2作成)を以って、修正が承認の条件とした事項を満たしていることを報告した。</p> <p>議題④ ホモ及びヘテロ接合型福山型筋ジストロフィー患者を対象としたステロイドの臨床試験</p> <p>【報告事項】</p> <p>支払いに関する資料(2023.10.2作成)を以って、修正が承認の条件とした事項を満たしていることを報告した。</p>

令和5年度 第6回 治験審査委員会議事録・概要

開催日時	令和5年11月15日(水) 15:00～15:30
開催場所	国立病院機構東埼玉病院 中会議室
出席委員名	尾方 克久、石垣 千絵、大塚友吉、塚田 訓久、鈴木 幹也、堀場 昌英、相磯 光彦、中嶋 京一、小沼 進吉、圓岡 大典、渡邊 ゆかり、新井 茂、古田 晴美、黒崎晃、酒井 恵、草野 和美、志村 美奈
議題及び審議結果を含む主な議論の概要	<p>議題① ホモ接合型福山型筋ジストロフィー患者を対象としたステロイドの臨床試験</p> <p>【審議事項】 副作用報告(2023.10.6付)に伴う安全性情報等に関する報告に対し、治験継続の妥当性について審議した。 審議結果: 承認 治験実施計画書の改訂(Ver.2.0→Ver.3.0)に対し、治験継続の妥当性について審議した。 審議結果: 承認 治験実施計画書別紙1の改訂(Ver.2.0→Ver.3.0)に対し、治験継続の妥当性について審議した。 審議結果: 承認</p> <p>議題② ホモ及びヘテロ接合型福山型筋ジストロフィー患者を対象としたステロイドの臨床試験</p> <p>【審議事項】 副作用報告(2023.10.6付)に伴う安全性情報等に関する報告に対し、治験継続の妥当性について審議した。 審議結果: 承認 治験実施計画書の改訂(Ver.2.0→Ver.3.0)に対し、治験継続の妥当性について審議した。 審議結果: 承認 治験実施計画書別紙1の改訂(Ver.2.0→Ver.3.0)に対し、治験継続の妥当性について審議した。 審議結果: 承認</p> <p>議題③ A PHASE 3, RANDOMIZED, DOUBLE-BLIND, PLACEBO-CONTROLLED EFFICACY AND SAFETY STUDY OF ATALUREN IN PATIENTS WITH NONSENSE MUTATION DUCHENNE MUSCULAR DYSTROPHY AND OPEN-LABEL EXTENSION ナンセンス変異型デュシェンヌ型筋ジストロフィー患者を対象としたアタルレンの第Ⅲ相、ランダム化、二重盲検、プラセボ対照、有効性及び安全性試験(非盲検延長投与期を含む)</p> <p>【報告事項】 治験の終了について報告をした。</p> <p>議題④ AN OPEN-LABEL, LONG-TERM SAFETY, EFFICACY, AND TOLERABILITY STUDY FOR ATALUREN(PTC124) IN PATIENTS WITH NONSENSE MUTATION DUCHENNE MUSCULAR DYSTROPHY ナンセンス変異型デュシェンヌ型筋ジストロフィー患者を対象としたアタルレン(PTC124)の非盲検、長期安全性、有効性、忍容性試験</p> <p>【審議事項】 副作用報告(2023.10.2付)に伴う安全性情報等に関する報告に対し、治験継続の妥当性について審議した。 審議結果: 承認 安全性情報の年次報告(調査単位期間:2022/8/1～2023/7/31)に対し、治験継続の妥当性について審議した。 審議結果: 承認 副作用報告(2023.10.18付)に伴う安全性情報等に関する報告に対し、治験継続の妥当性について審議した。 審議結果: 承認</p> <p>議題⑤ 大鵬薬品工業株式会社の依頼によるデュシェンヌ型筋ジストロフィー患者を対象としたTAS-205の第Ⅲ相試験</p> <p>【審議事項】 安全性情報の年次報告(調査単位期間:2022/8/9～2023/8/8)に対し、治験継続の妥当性について審議した。 審議結果: 承認</p>

令和5年度 第7回 治験審査委員会議事録・概要

開催日時	令和5年12月20日(水) 15:00 ~15:40
開催場所	国立病院機構東埼玉病院 中会議室
出席委員名	尾方 克久、石垣 千絵、大塚友吉、塚田 訓久、鈴木 幹也、相磯 光彦、中嶋 京一、小沼 進吉、 圓岡 大典、渡邊 ゆかり、新井 茂、古田 晴美、船津 芳征、黒崎晃、酒井 恵、草野 和美、志村 美奈
議題及び審議結果を含む 主な議論の概要	<p>議題① AN OPEN-LABEL, LONG-TERM SAFETY, EFFICACY, AND TOLERABILITY STUDY FOR ATALUREN(PTC124) IN PATIENTS WITH NONSENSE MUTATION DUCHENNE MUSCULAR DYSTROPHY ナンセンス変異型デュシェンヌ型筋ジストロフィー患者を対象としたアタルレン(PTC124)の非盲検、長期安全性、有効性、忍容性試験</p> <p>【審議事項】 副作用報告(2023.11.1付)に伴う安全性情報等に関する報告に対し、治験継続の妥当性について審議した。 審議結果: 承認</p> <p>治験実施計画書別紙の改訂(5.0版→6.0)に対し、治験継続の妥当性について審議した。 審議結果: 承認</p> <p>受託研究(治験)契約書の変更に対し、治験継続の妥当性について審議した。 審議結果: 承認</p> <p>治験実施状況について現状報告をし、治験継続の妥当性について審議した。 審議結果: 承認</p> <p>議題② 大鵬薬品工業株式会社の依頼によるデュシェンヌ型筋ジストロフィー患者を対象とした TAS-205の第Ⅲ相試験</p> <p>【審議事項】 治験実施計画書の改訂(P04→P05)に対し、治験継続の妥当性について審議した。 審議結果: 承認</p> <p>治験薬概要書の改訂(第6版→第7版)に対し、治験継続の妥当性について審議した。 審議結果: 承認</p> <p>説明文書・同意文書の改訂(Ver.4.2 → Ver.5.0)に対し、治験継続の妥当性について審議した。 審議結果: 承認</p> <p>アセント文書Bの改訂(Ver.2.0 → Ver.3.0)に対し、治験継続の妥当性について審議した。 審議結果: 承認</p>

令和5年度 第8回 治験審査委員会議事録・概要

開催日時	令和6年1月17日(水) 15:15～15:30
開催場所	国立病院機構東埼玉病院 中会議室
出席委員名	尾方 克久、石垣 千絵、大塚 友吉、鈴木 幹也、堀場 昌英、相磯 光彦、中嶋 京一、小沼 進吉、 圓岡 大典、渡邊 ゆかり、新井 茂、古田 晴美、船津 芳征、黒崎 晃、酒井 恵、草野 和美、志村 美奈
議題及び審議結果を含む主な議論の概要	<p>議題① 大鵬薬品工業株式会社の依頼によるデュシェンヌ型筋ジストロフィー患者を対象としたTAS-205の第Ⅲ相試験</p> <p>【審議事項】</p> <p>患者服薬日誌(100mg包/10錠包)の改訂(Ver.1.0→Ver.2.0)に対し、治験継続の妥当性について審議した。 審議結果：修正の上で承認</p> <p>患者服薬日誌(200mg包/20錠包)(Ver.1.0)に対し、治験継続の妥当性について審議した。 審議結果：修正の上で承認</p> <p>患者用包装変更説明資料(Ver.1.0)に対し、治験継続の妥当性について審議した。 審議結果：承認</p> <p>1回あたりの服薬包装案内資料の用途について(Ver.1.0)に対し、治験継続の妥当性について審議した。 審議結果：承認</p> <p>1回あたりの服薬包装案内資料(Ver.1.0)に対し、治験継続の妥当性について審議した。 審議結果：承認</p> <p>重篤な有害事象に関する報告書(第1報 2023.12.30付インフルエンザ、第2報 2024.1.5付インフルエンザA脳症(軽症))に対し、治験継続の妥当性について審議した。 審議結果：承認</p> <p>議題② デュシェンヌ型筋ジストロフィーに対するKA-301の安全性及び有効性を検討する第Ⅰ/Ⅱ相試験</p> <p>【審議事項】</p> <p>治験実施計画書の改訂(第2.3版→第2.4版)に対し、治験継続の妥当性について審議した。 審議結果：承認</p> <p>治験実施計画書別添の改訂(2版→3版)に対し、治験継続の妥当性について審議した。 審議結果：承認</p> <p>【報告事項】</p> <p>治験実施計画書補遺の改訂(4版→5版)について、報告した。</p>

令和5年度 第9回 治験審査委員会議事録・概要

開催日時	令和6年2月21日(水) 15:00～15:15
開催場所	国立病院機構東埼玉病院 中会議室
出席委員名	尾方 克久、石垣 千絵、塚田 訓久、鈴木 幹也、堀場 昌英、相磯 光彦、中嶋 京一、小沼 進吉、 圓岡 大典、渡邊 ゆかり、新井 茂、古田 晴美、船津 芳征、黒崎 晃、草野 和美、志村 美奈
議題及び審議結果を含む主な議論の概要	<p>議題① AN OPEN-LABEL, LONG-TERM SAFETY, EFFICACY, AND TOLERABILITY STUDY FOR ATALUREN(PTC124) IN PATIENTS WITH NONSENSE MUTATION DUCHENNE MUSCULAR DYSTROPHY ナンセンス変異型デュシェンヌ型筋ジストロフィー患者を対象としたアタルレン(PTC124)の非盲検、長期安全性、有効性、忍容性試験</p> <p>【審議事項】 副作用報告(2023.12.25付)に伴う安全性情報等に関する報告に対し、治験継続の妥当性について審議した。</p> <p>審議結果：承認</p> <p>議題② 大鵬薬品工業株式会社の依頼によるデュシェンヌ型筋ジストロフィー患者を対象とした TAS-205の第Ⅲ相試験</p> <p>【報告事項】</p> <ul style="list-style-type: none">患者服薬日誌(100mg包/10錠包)(Ver.2.1)、患者服薬日誌(200mg包/20錠包)(Ver.1.1)を以って、修正が承認の条件とした事項を満たしていることを報告した。治験実施計画書別紙の改訂(Ver.11およびVer.12)について、報告した。 <p>議題③ デュシェンヌ型筋ジストロフィーに対するKA-301の安全性及び有効性を検討する第Ⅰ/Ⅱ相試験</p> <p>【審議事項】 治験分担医師の追加による変更に対し、治験継続の妥当性について審議した。</p> <p>審議結果：承認</p>

令和5年度 第10回 治験審査委員会議事録・概要

開催日時	令和6年3月13日(水) 15:00～15:20
開催場所	国立病院機構東埼玉病院 中会議室
出席委員名	尾方 克久、石垣 千絵、大塚 友吉、塚田 訓久、鈴木 幹也、相磯 光彦、小沼 進吉、 圓岡 大典、渡邊 ゆかり、新井 茂、古田 晴美、船津 芳征、黒崎 晃、酒井 恵、草野 和美、志村 美奈
議題及び審議結果を含む主な議論の概要	<p>議題① ホモ接合型福山型筋ジストロフィー患者を対象としたステロイドの臨床試験</p> <p>【審議事項】 治験薬概要書の改訂に対し、治験継続の妥当性について審議した。 審議結果：承認</p> <p>議題② ホモ及びヘテロ接合型福山型筋ジストロフィー患者を対象としたステロイドの臨床試験</p> <p>【審議事項】 治験薬概要書の改訂に対し、治験継続の妥当性について審議した。 審議結果：承認</p> <p>議題③ AN OPEN-LABEL, LONG-TERM SAFETY, EFFICACY, AND TOLERABILITY STUDY FOR ATALUREN(PTC124) IN PATIENTS WITH NONSENSE MUTATION DUCHENNE MUSCULAR DYSTROPHY ナンセンス変異型デュシェンヌ型筋ジストロフィー患者を対象としたアタルレン(PTC124)の非盲検、長期安全性、有効性、忍容性試験</p> <p>【審議事項】 副作用報告(2024.2.9付)に伴う安全性情報等に関する報告に対し、治験継続の妥当性について審議した。 審議結果：承認</p> <p>議題④ 大鵬薬品工業株式会社の依頼によるデュシェンヌ型筋ジストロフィー患者を対象としたTAS-205の第Ⅲ相試験</p> <p>【審議事項】 ・患者服薬日誌(100mg包/10錠包)(Ver.2.2)、患者服薬日誌(200mg包/20錠包)(Ver.1.2)の改訂に対し、治験継続の妥当性について審議した。 審議結果：承認</p> <p>議題⑤ デュシェンヌ型筋ジストロフィーに対するKA-301の安全性及び有効性を検討する第Ⅰ/Ⅱ相試験</p> <p>【審議事項】 治験実施状況について現状報告をし、治験継続の妥当性について審議した。 審議結果：承認</p>